

Terapia genetica contro l'emofilia

Sperimentata presso tre ospedali americani, la cura potrebbe migliorare la qualità della vita delle persone affette da emofilia A

WASHINGTON - Una terapia genetica, sperimentata in tre ospedali del Massachusetts, potrebbe migliorare la qualità della vita delle persone affette da emofilia A. Questa malattia congenita, che rallenta la coagulazione del sangue, provocata da un'alterazione del cromosoma X, viene trasmessa per linea femminile e si manifesta solo nei maschi. Nella sua forma più grave l'emofilia causa emorragie spontanee e costringe i pazienti a sottoporsi a frequenti iniezioni di fattore VIII, antiemofiliaco. Questa nuova tecnica messa appunto, consiste nel modificare alcune cellule di tessuto connettivo, inserendo in esse il frammento di Dna mancante. I fibroblasti, questo il nome delle cellule responsabili della formazione del fattore VIII, vengono reimpiantate nel tessuto connettivo vicino allo stomaco dopo aver subito un particolare trattamento. Sei volontari si sono sottoposti alla sperimentazione presso Grazie all'aumento della produzione endogena del fattore, quattro dei sei volontari sottoposti alla sperimentazione presso il Beth Israel Deaconess Medical Center di Boston, quattro di loro hanno potuto diminuire con il tempo, anche se in maniera sensibile il numero di iniezioni cui sottoporsi. Gli altri due, affetti da emofilia grave, sono passati a una forma media o moderata della malattia. Restano però, alcuni dubbi sulla permanenza nel tempo dei miglioramenti ottenuti con la nuova terapia genetica. In ogni caso, dicono gli sperimentatori, "l'obiettivo dello studio era verificare la possibilità di trapiantare in modo sicuro sui pazienti le cellule geneticamente modificate"Prima di oggi, infatti, nessuno aveva mai pensato che i normali livelli di fattore antiemofiliaco potessero essere raggiunti stabilmente dai malati.